

# Medicinrådets anbefaling vedrørende vonicog alfa som mulig standardbehandling til von Willebrand sygdom

## Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** vonicog alfa (Veyvondi) som mulig standardbehandling til:

- On-demandbehandling og ved mindre kirurgiske indgreb hos voksne patienter, som har normalt eller let nedsat faktor VIII-niveau.
- Blødning hos voksne patienter, som i forbindelse med større kirurgiske indgreb får behov for at skifte til et faktorpræparat med lavere indhold af faktor VIII.

Medicinrådet **anbefaler ikke** vonicog alfa (Veyvondi) som mulig standardbehandling til:

- On-demandbehandling af voksne patienter med lavt faktor VIII-niveau eller ved blødning hos voksne patienter, som gennemgår større kirurgiske indgreb, hvor der i begge tilfælde også er behov for et faktor VIII-præparat.

## Sygdom og behandling

Von Willebrand sygdom er en blødersygdom, som skyldes mangel på virksom von Willebrand faktor, som er vigtig for blodets evne til at standse blødning. Der er registreret ca. 300 danske patienter med von Willebrand sygdom. Patienter, som ikke kan opnå hæmostase med desmopressin, bliver i dag behandlet med et plasmaderiveret præparat med von Willebrand faktor, eventuelt i kombination med faktor VIII.

## Om lægemidlet

Veyvondi er et rekombinant von Willebrand faktor-præparat, som er godkendt til voksne ( $\geq 18$  år) til behandling af spontan blødning, kirurgisk blødning samt forebyggelse af blødning i forbindelse med kirurgiske indgreb, når behandling med desmopressin alene er ineffektiv eller ikke er indiceret. Veyvondi indeholder ikke faktor VIII. Hvis patienten samtidig har lavt faktor VIII-niveau, skal der derfor gives et faktor VIII-præparat ved siden af. Veyvondi er ikke indiceret til profylaktisk behandling.

## Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at vonicog alfa (Veyvondi) til voksne patienter ( $\geq 18$  år) med von Willebrand sygdom giver:

- **Ingen klinisk merværdi** ved on-demandbehandling til patienter med lavt FVIII-niveau ( $< 30$  %) sammenlignet med plasmaderiveret von Willebrand faktor.
- **Ingen klinisk merværdi** ved forebyggelse og behandling af blødning under mindre kirurgiske indgreb sammenlignet med plasmaderiveret von Willebrand faktor.
- **Ikkedokumenterbar klinisk merværdi** ved forebyggelse og behandling af blødning under større kirurgiske indgreb sammenlignet med plasmaderiveret von Willebrand faktor.

Evidensens kvalitet er meget lav for alle kliniske spørgsmål.

Den kliniske merværdi for voksne patienter i on-demandbehandling, som har normalt eller let nedsat FVIII-niveau ( $> 30$  %), kan ikke vurderes.

## Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Medicinrådet finder, at der er et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi af vonicog alfa sammenlignet med Willfact og omkostningerne forbundet med behandling af følgende patienter:

- On-demandbehandling (patienter med normalt eller let nedsat FVIII-niveau).
- Alle mindre kirurgiske indgreb og de større kirurgiske indgreb, hvor patienten har behov for at skifte til et faktorpræparat med lavere indhold af FVIII.

Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi af vonicog alfa og omkostningerne forbundet med on-demandbehandling af patienter med lavt FVIII-niveau samt behandling af patienter, som gennemgår større kirurgiske indgreb sammenlignet med Haemate og Wilnativ.

## Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har ikke fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed eller forsigtighed i anbefalingen.

## Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Medicinrådet har igangsat udarbejdelse af en behandlingsvejledning for von Willebrand sygdom, hvor der vil blive taget stilling til indplaceringen af vonicog alfa (Veyvondi) i forhold til andre lægemidler til behandling af sygdommen.

## Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen. Regionernes indkøbsorganisation Amgros indgår aftale om en pris for medicinen med ansøgeren. På baggrund af den forhandlede pris vurderer Medicinrådet, om medicinens merværdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Godkendelsesdato	10. april 2019
Ikrafttrædelsesdato	10. april 2019
Dokumentnummer	47593
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedr. vonicog alfa som mulig standardbehandling til von Willebrand sygdom.

© Medicinrådet, 2019. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinrådet, 10. april 2019.